

[発表資料]

「小児用補助人工心臓 **Berlin Heart Excor**:  
東京大学における治験成績と承認後について」

1. 会見日時 **Date and time**

2015年8月29日(土) 16:00 ~ 17:00

会見は日本語で行われますが、英語での質問も可能です。

Saturday, 29 August 2015, 4:00 pm -5:00 pm

The presentation will be in Japanese. Questions can be asked in English.

2. 会見場所 **Venue**

東京大学医学部総合中央館 3階 310会議室

Medical Library, The University of Tokyo

Conference room 310 (Medical Library 3F)

3. 出席者 **Attendee**

小野 稔 (東京大学医学部附属病院 心臓外科 教授)

Dr. Minoru Ono

Professor, Department of Cardiovascular Surgery, The University of Tokyo Hospital

4. 発表のポイント **Points**

◆東京大学医学部附属病院心臓外科は小児用補助人工心臓 **Berlin Heart Excor** の医師主導治験の主幹施設として、9例の国内治験を統括し、極めて優れた成績をもって国内承認を得た。

◆これまで、重症心不全を有する小児において1ヶ月を超える長期の補助を可能とする循環補助装置は国内にはなかった。

◆2010年の法改正により日本国内で小児心臓移植が可能となったが、待機期間が2年以上となる可能性が高い。**Excor** はこのような長期の移植待機を可能とすると同時に、また一部の小児で自己心機能回復離脱を促す可能性が期待できる。

◆ The Department of Cardiovascular Surgery of the University of Tokyo Hospital has been acting as lead investigation facility for the pediatric ventricular assist device “Berlin Heart Excor”. Excellent results in trials with nine patients have prompted governmental approval in Japan.

◆ There was no other similar device for hemodynamic support exceeding one month of children with advanced heart failure before the approval of this device.

◆ Pediatric heart transplantation became a possibility thanks to the revision of the brain-death law in Japan in 2010. However, the waiting period is highly likely to exceed two years. Berlin Heart Excor will enable pediatric patients to await a longer period for a transplant, and this may give a chance of being weaned from the device due to recovery of their own heart function.

## 5. 発表概要 Abstract

2011年から、東京大学を主幹施設として大阪大学および国立循環器病研究センターで小児用補助人工心臓 Berlin Heart Excor の医師主導治験を行ってきました。心臓移植を必要とする、あるいはそれと同等の重症の心不全の小児を対象にした治験です。当初は3例の装着で計画されましたが、日本の医療機器治験として初めてとなる人道的理由による治験症例の繰り入れ延長が認可され、最終的には9例に装着されました。平均補助期間は250日を越え、全例が生存するという画期的な結果をもって承認されました。これまで小児において1ヶ月を越える長期にわたる補助が可能な循環補助システムは日本にはなく、長期にわたる安定した補助を行って国内で心臓移植を受けられるようになることを期待されます。また、長期の循環補助を行いながら、薬物や再生医療などを付加することによって患児自身の心機能が回復する症例も期待されます。

A physician-directed clinical trial of the pediatric ventricular assist device “Berlin Heart Excor” started in 2011 at the University of Tokyo Hospital (lead investigation facility), Osaka University and the National Cardiovascular Research Center. This trial was for pediatric patients with advance heart failure who needed heart transplantation or had an equivalent severe condition. Initial enrollment was planned for three patients. Nine patients were eventually implanted with this device, because continued access enrollment and compassionate use of medical devices still under trial were approved by the government for the first time. The device was approved for use in Japan after excellent results showing that the average support duration exceeded 250 days with all patients alive. No similar device in Japan is capable of providing hemodynamic support exceeding one month in pediatric patients and this device is expected to provide long-term support for pediatric patients waiting for a heart transplant in Japan. Long-term support using this device may also provide a chance for pediatric patients to recover their own heart function with the aid of pharmacological therapy and/or regenerative medicine.

## 6. 発表内容

日本では2010年7月の臓器移植法改正後から、小児においても国内で心臓移植をうけることが可能となりました。しかし、脳死ドナーが極めて限られた状況では2年を超える長期の待機期間を安全に乗り越えなければ心臓移植を受けることは困難でした。米国においても小児心臓移植の待機期間が延長されつつあり、移植が必要な小児の循環補助を安全に行うために、従来のECMO（体外式膜型人工肺）補助以外の長期の補助循環装置が必須とされていました。米国では、小児用補助人工心臓 Berlin Heart Excor が治験を経て2011年12月にFDAに承認されました。日本でも小児用補助人工心臓の必要性が強く認識され、2011年から日本でも治験が開始されることになりました。収益性の低い装置の治験であることから、大手の企業は治験を引き受けることが困難であったため、医師主導治験として2010年より治験プロトコール作成を開始しました。2011年4月から、小児心臓移植実施施設である東京大学が主幹施設となり、大阪大学、国立循環器病研究センターを含む3施設において、3症例の装着を予定として正式に治験が開始されました。主要観察項目は、装着後3ヶ月における心臓移植、自己心機能回復離脱、補助継続としました。4症例までの装着および観察が全例生存の状態を終了し、2014年11月にPMDAに承認申請書類を提出しました。これと前後して Berlin Heart Excor の有効性が小児循環器医に広く知られるに至り、小児循環器医らは、症例追加の要望書を厚生労働省に提出しました。最終的には、日本の医療機器の治験としては初めて、承認申請書類提出後の人道的見地からの治験機器使用が認められました。その結果5例の症例追加があり、合計9例が装置装着を受けました。9例に症例数が増え、一部の症例で合併症は見られたものの、全例生存とい

う画期的な成績を維持しています。すでに5例が心臓移植を受け、4例は移植待機中です。東京大学では3例の装着を行いました。2例は心臓移植を完了し、1例は補助期間2年を超えて元気に院内で移植待機しています。

Berlin Heart Excorは2015年6月18日、申請後わずか7ヶ月という短期間で承認されました。8月1日からは健康保険適用が認められ、治験3施設に加えて、新たな治療施設の認定作業が進められています。成人における体外式補助人工心臓治療においては、10～20%程度の患者さんにおいて自己心機能が回復して補助人工心臓から離脱できることがわかっています。今後、小児におけるExcorの治療においても、必ずしも心臓移植を行わなくても自己の心機能が回復してくる患児が出てくることが期待されます。

## 7. 問い合わせ先 **Press Contacts**

<内容に関するお問合せ>

東京大学医学部附属病院 心臓外科

教授 小野 稔

電話：03-5800-8855 e-mail：ono-tho@h.u-tokyo.ac.jp

Dr. Minoru Ono,

Professor, Department of Cardiovascular Surgery, The University of Tokyo Hospital

Phone: +81 3-5800-8855

e-mail: ono-tho@h.u-tokyo.ac.jp

<取材に関するお問い合わせ>

東京大学医学部附属病院 パブリック・リレーションセンター (担当：小岩井、渡部)

電話：03-5800-9188 FAX：03-5800-9193

e-mail：pr@adm.h.u-tokyo.ac.jp

The Center for Liaison and Public Relations, The University of Tokyo Hospital

FAX: +81 3-5800-9193

e-mail: pr@adm.h.u-tokyo.ac.jp